



Prot. 72/08/P

Agli Onorevoli Candidati alla Presidenza del
Consiglio dei Ministri:

Silvio Berlusconi
Fausto Bertinotti
Enrico Boselli
Pierferdinando Casini
Flavia D'Angeli
Stefano De Luca
Bruno De Vita
Marco Ferrando
Luigi Ferrante
Giuliano Ferrara
Roberto Fiore
Stefano Montanari
Renzo Rabellino
Daniela Santanchè
Fabiana Stefanoni
Walter Veltroni

Propri indirizzi

MALATTIE RARE: LETTERA APERTA AI CANDIDATI PREMIER

Onorevoli Candidati,

Vi scrive la presidente della **Federazione Nazionale Malattie Rare UNIAMO Onlus**¹ per rompere l'assordante silenzio istituzionale che avvolge le malattie rare nel nostro Paese.

Il 29 febbraio scorso si è svolta in tutta l'Unione Europea la **Prima Giornata Europea delle Malattie Rare**, ideata da EURORDIS – European Organization for Rare Diseases – e coordinata in Italia da UNIAMO FIMR Onlus. L'evento, dal titolo “Un giorno raro per persone molto speciali” ha avuto come tema le malattie rare come priorità di salute pubblica.

Lo straordinario successo registrato ovunque nelle manifestazioni collegate alla giornata europea ha confermato ai decisori politici internazionali, medici, pazienti, opinion leader e cittadini l'estrema attualità e criticità delle malattie rare come problema di sanità pubblica e oggetto delle politiche sanitarie internazionali dei prossimi anni.

La prima giornata europea delle malattie rare è stata anche lo snodo centrale del compimento di importanti e per certi versi storici atti politici comunitari sulle malattie rare. La **Consultazione Pubblica** sulle malattie rare, promossa dalla Commissione Europea, e la pubblica audizione al Parlamento Europeo di una delegazione di pazienti e operatori del settore stanno contribuendo a tracciare le linee strategiche delle politiche sanitarie e socio-assistenziali per le malattie rare contenute nel piano sanitario europeo per i prossimi anni 2009-2013. Per la prima volta le scelte strategiche comunitarie saranno prese anche grazie all'ascolto di pareri non solo dei pazienti o dei medici ma di chiunque abbia voluto partecipare alla consultazione pubblica europea. Si tratta di un risultato storico da cui dipenderanno molte scelte di politica sanitaria dei Paesi membri, compresi il nostro.

Completamente diversa è oggi la situazione delle malattie rare e delle politiche sanitarie e socio-assistenziali ad esse connesse in Italia.

UNIAMO segue con la massima attenzione fin dalla sua nascita l'evolversi delle politiche e delle normative sul tema. Il Piano Sanitario Nazionale 1998-2000 per la prima volta esprimeva la priorità della

¹associazione di promozione sociale fondata nel 1999 grazie alla volontà di alcune associazioni di pazienti di malattia rara - oggi riunisce più di 60 associazioni di malattie rare e rappresenta più di 600 diverse patologie

tutela delle persone colpite da malattie rare. Sulla scia delle raccomandazioni comunitarie del 1999 viene decretato il **D.M. 279 del 2001** che istituisce la Rete Nazionale delle Malattie Rare ed esenta i pazienti dalla partecipazione al costo delle prestazioni dovute. Dopo sette anni poco di quanto previsto dal decreto è diventato realtà: rimangono aperti molti interrogativi sulle sue criticità, nonostante molti passi avanti siano stati fatti. Neppure i due accordi firmati tra Stato - Regioni sono riusciti a rilanciare correttamente l'attività della rete assistenziale in tutte le regioni italiane.

Non più fortunata è stata finora la sorte di ben 12 disegni di legge sul tema delle malattie rare.

Per i malati rari e i loro familiari la situazione nel nostro Paese è, e continua, ad essere insostenibile.

Come Federazione delle Associazioni d'Utenza sulle Malattie Rare e rappresentante per l'Italia in EURORDIS noi chiediamo con forza a Voi e al prossimo Governo che sia rispettata la certezza dell'applicazione della legge vigente. Prima di approvare nuove norme a favore dei malati rari noi crediamo sia giusto applicare le leggi già in vigore da anni e disattese. La tutela delle persone con malattia rara comincia con questi piccoli ma importanti fatti.

Chiediamo a Voi e al prossimo Governo del nostro Paese l'impegno a garantire i diritti esigibili dei cittadini affetti da malattia rara. Questa una prima agenda delle priorità indispensabili per lo sviluppo di una politica di settore tutelante per i pazienti e allineata con le politiche europee:

a) **Aggiornamento annuale**, in accordo tra Ministero della Salute e Regioni, **dell'elenco delle malattie rare allegato** al DM 279/2001 in modo che i pazienti possano accedere ai benefici previsti e indispensabili.

b) **Realizzazione delle reti verticali di eccellenza, costituzione delle reti orizzontali della "presa in carico" della persona, anche attraverso il coinvolgimento delle reti di cura primaria più vicine al luogo di vita delle persone e al potenziamento delle modalità di assistenza integrata, domiciliare e di supporto alla persona nella sua integrazione scolastica e nel lavoro. Primo passo per la realizzazione di questo modello assistenziale è la corretta individuazione dei centri di Expertise e dei presidi accreditati.** E' indispensabile predisporre specifici percorsi assistenziali disegnati sui bisogni di ciascuna persona con Malattia Rara anche promuovendo la concreta realizzazione di modalità assistenziali come le dimissioni protette e i piani assistenziali integrati che permettono il superamento dell'attuale offerta assistenziale.

c) **Assicurare la presenza nei prontuari di tutti i farmaci orfani approvati dall'EMEA (classe A/H) e l'integrazione dell'elenco dei farmaci contenuti nella legge 648/96. Vi è inoltre, riconosciuto il grande valore "off label" di taluni farmaci per le Malattie Rare**, rivedendo le limitazioni previste nell'attuale legge finanziaria. Inoltre, risultano molto spesso inaccessibili per le persone con Malattia Rara, i **farmaci in fascia C, i parafarmaci** e altri presidi indispensabili per la cura e perfino per la sopravvivenza di alcuni pazienti affetti da Malattia Rara, ma facilmente acquistabili per la cura e perfino per la sopravvivenza di alcuni pazienti affetti da Malattia Rara, ma facilmente acquistabili a causa dei costi spesso insostenibili dai privati cittadini.

d) **Partecipare ai grandi bandi di ricerca europei con progetti dedicati alle malattie rare.** Prevedere l'utilizzo dei finanziamenti per i bisogni terapeutici dei pazienti, includendo anche, come indicatore, la qualità di vita in relazione al complesso familiare (ad esempio FP7, Public Health, IMI);

e) **Garantire e valorizzare l'autonomia dell'associazionismo** e prevedere **forme di partecipazione** alle decisioni di pubblico interesse;

f) **Migliorare le competenze e la formazione sulle malattie rare** del personale medico e paramedico.

Questa la nostra agenda per dare voce a più di un milione di cittadini che ancora non hanno voce.

In attesa di un Vostro riscontro Vi ringrazio per l'attenzione.

Venezia, 4 aprile 2008

Il Presidente
UNIAMO FIMR onlus
Renza Barbon Galluppi

